

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

アンジェス

4563 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2025年8月4日(月)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<https://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. 開発パイプラインの動向	01
2. ACRL の取り組み状況	01
3. 業績動向	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業の特徴とビジネスモデル	05
■ 主要開発パイプラインの動向	06
1. HGF 遺伝子治療用製品	06
2. NF- κ B デコイオリゴ DNA (AMG0103)	09
3. ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト化合物)	10
■ EmendoBio Inc. の開発状況	11
1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴	11
2. 事業戦略	13
■ ACRL の取り組み状況	15
■ 業績動向	16
1. 2025年12月期第1四半期の業績概要	16
2. 2025年12月期の業績見通し	18
3. 財務状況について	19
■ 今後の成長戦略	20

要約

HGF 遺伝子治療用製品の米国市場での上市を最優先に取り組む

アンジェス <4563> は、1999年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーで、長期ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目指している。2020年に先進ゲノム編集技術の開発を行う EmendoBio Inc. (以下、Emendo) を子会社化し、2021年には国内で希少遺伝性疾患向け拡大新生児スクリーニング検査※を行う衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (以下、ACRL)」を開業、検査受託サービスを開始した。

※ 公費負担ですべての新生児に実施しているマススクリーニング検査に含まれていない疾患に対する有償検査サービスで、(一社)希少疾患の医療と研究を推進する会 (以下、CReARID (クレアリッド)) から受託して実施している。

1. 開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品については、米国で軽度から中等度の包括的高度慢性下肢虚血 (CLTI) を対象に開発を進めており、第 2b 相臨床試験の良好な結果を受け、2024年9月に米国食品医薬品局 (以下、FDA) からブレイクスルーセラピー※に指定された。現在は製造販売承認申請に向け製造委託先と交渉を進めているほか、販売パートナーの探索活動も進めている。販売パートナー契約で交渉の一助となる学術誌への論文掲載に関しては、2025年8月ころを目安に発行元と調整を進めており、これらが順調に進めば 2026 年前半に承認申請や販売パートナー契約が締結される可能性があると思われ、弊社では見ている。同社では同疾患の米国内の対象患者数が約 50 万人、売上ポテンシャルとして 1 千億円超の規模が期待できると見ており、今後の動向が注目される。慢性椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験は 2025 年内の被験者登録完了と 2027 年前半の試験結果発表を目指す。

※ ブレイクスルーセラピー指定制度とは、重篤な疾患や生命を脅かす疾患に対する新規治療薬の開発と審査を迅速化することを目的に FDA が導入した制度で、臨床試験の結果などをもとに既存の治療法よりも顕著な改善を示す可能性のある開発品が指定を受ける。

2. ACRL の取り組み状況

新生児を対象とした希少遺伝性疾患の検査事業は順調に受託件数が増加しており、2025年12月期第1四半期 (2025年1月～3月) の売上高は前年同期比 3.2 倍増の 113 百万円となった。CReARID からの受託に加えて、自治体からの直接受託も新たに開始したことが要因だ。また、確定診断※として用いられる遺伝学的検査や治療効果のモニタリングを行うためのバイオマーカー検査の体制も整備し、希少遺伝性疾患検査に関するワンストップサービス体制を構築している。旺盛な需要に対応すべく 2025 年に能力増強投資を計画していたが、資金面の問題から能力増強計画を 2026 年以降に先送りすることも検討しているようだ。

※ スクリーニング検査の結果で疾患の疑いがある場合、また、発症した症状から該当の疾患である可能性がある場合に、その病気の原因である遺伝子変異の有無を確認することで該当の疾患かどうかを確定させる検査 (確定検査)。

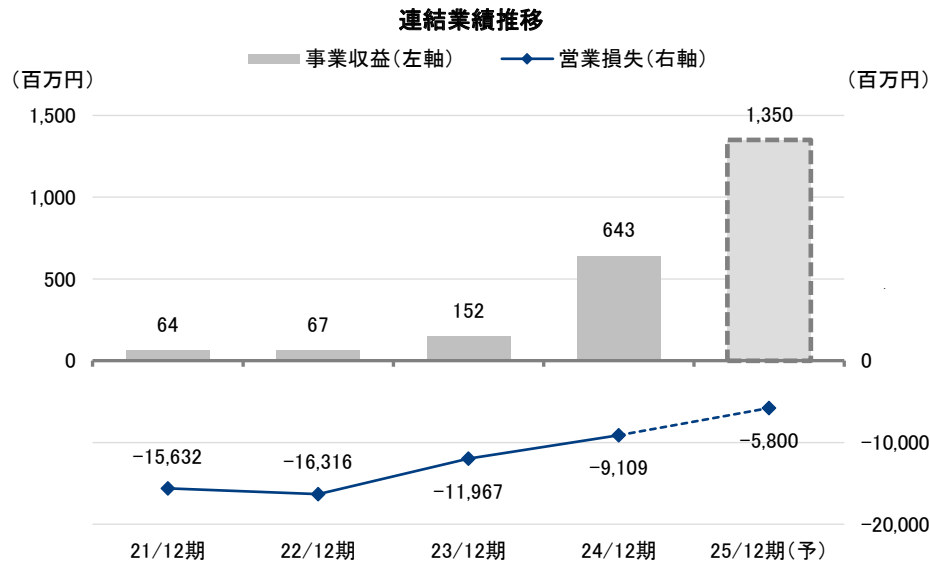
要約

3. 業績動向

2025年12月期第1四半期の業績は、事業収益が169百万円（前年同期比55百万円増）、営業損失が1,255百万円（同1,221百万円減）となった。事業収益は、検査事業の成長や「ゾキンヴィ」で55百万円を計上したことが増収要因となった。利益面では、Emendoに関わるのれん償却額がなくなったことや前期に実施した事業構造改革による人件費等の減少により損失額が縮小した。2025年12月期の事業収益は1,350百万円（前期比706百万円増）、営業損失は5,800百万円（同3,309百万円減）と期初計画を据え置いた。事業収益については、検査事業の能力増強計画が先送りされれば下振れする可能性が大きい。ただ、利益面ではおおむね計画どおりとなる見通しだ。なお、2025年3月末の現金及び預金残高は2,676百万円となっているが、当面は第三者割当による新株予約権の行使を進めることで事業活動資金を調達する方針である。

Key Points

- ・ HGF 遺伝子治療用製品は米国で 2026 年前半の販売承認申請目指す
- ・ 慢性椎間板性腰痛症を対象とした第 2 相臨床試験は 2025 年内の被験者登録完了目指す
- ・ 2025 年 12 月期の事業収益は下振れの可能性があるものの、営業損失は大幅縮小見通し



出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 会社概要

遺伝子医薬の開発に特化した大阪大学発のバイオベンチャー

1. 会社沿革

同社は大阪大学発のバイオベンチャーで、HGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用の研究成果を事業化することを目的に 1999 年に設立された。HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン」において、田辺三菱製薬 <MTZPY> と 2012 年に米国市場、2015 年に国内市場で末梢血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結し、2019 年 3 月に国内で慢性動脈閉塞症患者向けに条件及び期限付き製造販売承認を取得し、同年 9 月から田辺三菱製薬を通じて販売を開始した。製造販売後承認条件評価（市販後調査）の結果、第 3 相臨床試験の成績を再現できなかったこと、米国で実施した後期第 2 相臨床試験の好成績を踏まえて、戦略的な観点から 2024 年 6 月に本承認の申請を一旦取り下げるなど開発戦略の変更を決定し、同年 8 月には田辺三菱製薬との日米における独占的販売権許諾契約の解消を発表した（解消日は日本が 2024 年 11 月 1 日、米国が 2025 年 2 月 1 日）。

そのほかのパイプラインでは、核酸医薬品である NF- κ B デコイオリゴ DNA について、米国で慢性椎間板性腰痛症を対象に 2018 年より後期第 1 相臨床試験を実施して良好な結果を得たことから、2023 年 3 月に塩野義製薬 <4507> と国内での協力契約を締結し、同年 10 月より第 2 相臨床試験を開始した。また、2022 年 5 月に米国 Eiger BioPharmaceuticals, Inc. (以下、アイガー) と希少遺伝性疾患で乳児早老症とも呼ばれる HGPS (ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群) 及び PDPL (プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー) を適応症とした治療剤「ゾキンヴィ」の国内での販売契約を締結※した。2024 年 1 月に製造販売承認を取得し、同年 5 月より販売を開始した。

※ アイガーが 2024 年 4 月に米連邦破産法 11 条の適用を申請したことに伴い、「ゾキンヴィ」に関する契約は事業承継先となる米 Sentyln Therapeutics Inc. との間で継続することとなった。

M&A・アライアンス戦略として、2018 年にカナダの Vasomune Therapeutics, Inc. (以下、Vasomune) と共同開発契約を締結し (2023 年 3 月に 273 百万円を出資)、ARDS (急性呼吸窮迫症候群) を対象とした治療薬候補品「AV-001」(Tie2 受容体アゴニスト) の開発を進めている。また、2018 年にはマイクロバイオームの研究開発を行うイスラエルの MyBiotics Pharma Ltd. に出資した (2022 年 11 月に転換社債 74 百万円を引き受け、減損処理済み)。さらに、2020 年にはゲノム編集技術により希少遺伝性疾患の治療薬開発を目指す Emendo の株式を取得し子会社化した。

医薬品開発以外の事業としては、2021 年 4 月に新生児の希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所 ACRL を開設し、CReARID と連携して、オプショナルスクリーニング検査の受託サービスを開始した。

アンジェス | 2025年8月4日(月)
 4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

会社概要

会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療用製品、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として設立
2001年10月	米国での臨床開発を目的として、アンジェス インク（連結子会社）を設立
2002年 6月	欧州での臨床開発を目的として、英国にアンジェス ユーロ リミテッドを設立（2019年に清算）
2002年 9月	東京証券取引所マザーズ市場に上場
2006年12月	ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の国内での販売に関し、米国 BioMarin Pharmaceutical と提携
2008年 4月	ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始（2019年に販売権を BioMarin Pharmaceutical の日本法人に承継）
2010年12月	NF- κ B デコイオリゴ DNA のアトピー性皮膚炎分野において、塩野義製薬と共同開発するライセンス契約を締結
2012年10月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療薬の米国における末梢血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2015年 6月	田辺三菱製薬との間で HGF 遺伝子治療用製品の国内における末梢血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2018年 1月	国内で慢性動脈閉塞症を対象疾患とした HGF 遺伝子治療用製品について条件及び期限付き承認制度を活用した再生医療等製品の製造販売承認申請を行う
2018年 7月	カナダの Vasomune と提携し、急性呼吸不全等の治療薬に関する共同開発契約を締結 イスラエルの MyBiotics Pharma Ltd. と資本提携
2019年 3月	国内で慢性動脈閉塞症における「潰瘍の改善」を効能とした HGF 遺伝子治療用製品の条件及び期限付き製造販売承認を取得 先進ゲノム編集技術を有する米国の EmendoBio Inc.（以下、Emendo）と資本提携
2019年 9月	国内で HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン」の販売を開始
2020年 3月	大阪大学と共同で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの開発を開始（2022年9月中止発表）
2020年12月	Emendo を完全子会社化 Vasomune と共同開発を進めている ARDS 治療薬「AV-001」の第1相臨床試験を開始
2021年 4月	国内で希少遺伝性疾患を対象としたスクリーニング検査を行う衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー」を開設
2022年 4月	東京証券取引所グロース市場に移行
2022年 5月	希少疾患治療剤「ゾキンヴィ」に関する国内の独占販売契約を米国 Eiger BioPharmaceuticals, Inc. と締結
2023年 3月	塩野義製薬と国内における慢性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の第2相臨床試験に関する協力契約を締結
2023年 5月	国内で「コラテジェン」と「ゾキンヴィ」の製造販売承認を申請
2023年10月	国内で慢性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の第2相臨床試験を開始
2024年 1月	「ゾキンヴィ」の製造販売承認を取得
2024年 3月	Emendo が Anocca AB と OMNI-A4 ヌクレアーゼの非独占的ライセンス契約を締結
2024年 5月	「ゾキンヴィ」の販売を開始
2024年 6月	国内における「コラテジェン」の開発販売戦略を変更

出所：有価証券報告書、同社資料よりフィスコ作成

2. 事業の特徴とビジネスモデル

同社の事業の特徴は、遺伝子の働きを活用した医薬品である遺伝子治療用製品、核酸医薬、そして DNA ワクチンを遺伝子医薬として定義し、社会的な使命であるとともに確実な需要が存在する「難治性疾患」や「有効な治療法がない疾患」を開発対象領域としていることにある。また、自社開発品以外にもこうした事業方針と合致する開発候補品を海外のベンチャーや大学などの研究機関から導入して、開発パイプラインの強化とリスク分散を図っている。

同社のビジネスモデルは、研究開発に特化し（製造は外部の専門機関に委託）、開発品についての共同開発や独占的販売権許諾契約を大手製薬企業と締結することで、契約一時金や開発の進捗状況に応じたマイルストーン収入、上市後の製品売上高に対して一定料率で発生するロイヤリティ収入等を獲得することを主軸としている。臨床試験の規模や期間は対象疾患等により異なるが、第1相から第3相臨床試験まで3～7年程度かかると言われている。臨床試験の結果が良ければ規制当局に製造販売の承認申請を行い、おおむね1～2年の審査期間を経て問題がなければ承認・上市といった流れになる。新薬開発の成功確率は低く、基礎研究段階に特定したリード化合物が新薬として発売される確率は、約3万分の1と言われている。

希少遺伝性疾患の検査受託サービスでは、新生児の希少遺伝性疾患を調べるための拡大新生児スクリーニング検査を主に首都圏のクリニックなどから受託しており、2024年からは地方自治体を通じた受託も開始した。スクリーニング検査で要精密検査となれば、遺伝学的検査（確定検査）を行う。スクリーニング検査やその後の確定検査によって発症前の早期段階から治療を始めることで、症状の進行を抑える効果が期待できる。検査対象の疾患は、地方自治体が公費で実施するマススクリーニング検査（20疾患が対象）以外の希少遺伝性疾患で、希望者に対して有償で検査を実施している。現在、ACRLで検査可能な疾患はムコ多糖症やファブリー病（男子のみ）など14疾患※だが、随時拡充する考えだ。

※ ムコ多糖症（I型、II型、IVA型、VI型、VII型）、ポンベ病、ファブリー病、ゴーシェ病、ニーマンピック病A/B型、クラッペ病、副腎白質ジストロフィー、脊髄性筋萎縮症、重症複合免疫不全症、アデノシンデアミナーゼ欠損症を対象疾患としている。東京都では2025年3月より、ムコ多糖症（I・II型）、ポンベ病についてマススクリーニング検査の対象に追加した。

■ 主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品は米国で 2026 年前半の販売承認申請目指す

同社の主要開発パイプラインには、HGF 遺伝子治療用製品、NF- κ B デコイオリゴ DNA や、提携先の Vasomune と共同開発中の Tie2 受容体アゴニストがある。

主要開発パイプラインの状況

プロジェクト	地域	導出先・提携先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用製品	日本	-	慢性動脈閉塞症	2024年6月に条件・期限付き製造販売の条件解除に向けた本申請を取り下げ。米国での開発動向を見て今後の方針を検討。
	米国	-	包括的高度慢性下肢虚血	第2b相臨床試験(2019年11月～2024年3月、症例数75例)を完了、2024年11月に治験担当医師が学会でトップラインデータ発表。
	イスラエル	Kamada	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Kamadaも製造販売承認申請を取り下げ。
	トルコ	Er-Kim	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Er-Kimも申請準備を一旦中止。
NF- κ B デコイオリゴ DNA	米国	-	慢性椎間板性腰痛症	米国で第1b相臨床試験完了(25例、2018年2月～2021年)。
	日本	塩野義製薬	慢性椎間板性腰痛症	日本で第2相臨床試験について塩野義製薬と開発協力契約を締結。2023年6月より開始(予定症例数92例)。
Tie2 受容体アゴニスト「AV-001」	米国	Vasomune	ARDS	2018年7月にVasomuneと共同開発契約を締結、北米で第2a相臨床試験を2022年1月より開始。(予定症例数60例)。

注：出典は、IMS Health、Foster Rosenblatt、Health Policy Institute 及び Pain Med.、IQVIA、AHA Journals、Am J Resp Crit Care Med.

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

1. HGF 遺伝子治療用製品

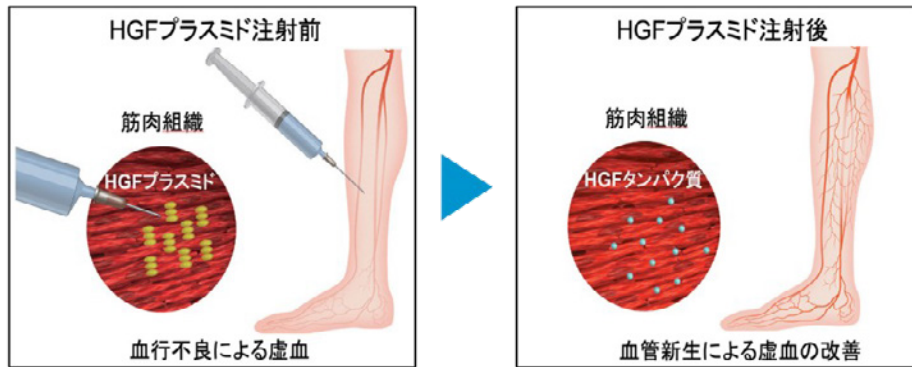
HGF 遺伝子治療用製品は血管新生作用の効果を活用して、閉塞性動脈硬化症のなかでも症状が進行した慢性動脈閉塞症向け治療薬として開発が進められてきた。慢性動脈閉塞症とは、血管が閉塞することによって血流が止まり、組織が潰瘍・壊疽を起こして最終的に下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患である。現在の治療法としては、カテーテル治療や血管バイパス手術などが行われているが、手術ができないケースも多く、新たな治療法の開発が望まれている。

HGF 遺伝子治療用製品は、血管が詰まっている部位周辺に複数回注射投与することによって新たな血管を作り出し、血流を回復させることで潰瘍の改善を図るものである。国内では2019年3月に「標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能、効果または性能として、条件及び期限付き承認を取得し、同年9月より「コラテジェン®筋注用4mg」※として提携先の田辺三菱製薬を通じて販売を開始した。製造販売後承認条件評価を実施して2023年5月に本承認の申請を行ったが、国内第3相臨床試験の成績を再現できなかったことや、米国の後期第2相臨床試験の結果が良好であったことを踏まえて、戦略的観点から2024年6月に申請を一旦取り下げ、国内での販売を終了した。

※用法は、虚血部位に対して筋肉内投与を4週間間隔で2回行い(4mg/回)、症状が残存する場合には4週間後に3回目の投与もできる(薬価は約61万円/1瓶(4mg))。

主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品による血管新生



出所：会社説明会資料より掲載

国内の臨床試験では重度の患者を対象としていたのに対して、米国では2019年6月に改定された包括的高度慢性下肢虚血に関するグローバル治療指針[※]や治験担当医師の提案を踏まえて、下肢切断リスクの低いステージ1または2の患者を対象に臨床試験を実施した。治験担当医師の、重症下肢虚血の患者はがんと同様に早期に治療を開始することが重要である、との仮説による試験デザインとした。

[※] グローバル治療指針 (Global Vascular Guideline : GVG) : 包括的高度慢性下肢虚血 (CLTI : Chronic limb-threatening ischemia) の初期段階から適切な治療マネジメントを提供することで患者の QOL の向上を図ることを推奨している。当ガイドラインでは臨床ステージを4段階 (clinical stage1 ~ 4) に分け、それぞれのステージにおける治療方針が示されており、米国での後期第2相臨床試験は下肢切断リスクの低い clinical stage1 と2を対象とした。このステージの患者には、まず潰瘍の治療を考慮することがガイドラインで推奨されている。

日本と米国の臨床試験における疾患の範囲



閉塞性動脈硬化症の潰瘍のある重度下肢虚血の患者を対象としていた

臨床試験の指導医のアドバイスにより、CLTIの軽度から中等度の患者を対象に臨床試験を実施

出所：事業計画及び成長可能性に関する事項の開示より掲載

主要開発パイプラインの動向

米国の後期第 2 相臨床試験では、主要評価項目として「治癒までの期間」と「投与後 6 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」を設定し、HGF 遺伝子治療用製品またはプラセボを 4 週間の間隔を置いて 4 回投与する二重盲検比較試験を実施した。被験者を 4mg/ 回、8mg/ 回、プラセボの 3 群に分け 12 ヶ月の観察期間を設けてデータ収集を行った（被験者数は途中脱落者も想定して全 75 例を組み入れ）。2024 年 11 月に開催された米国心臓病学会にて治験担当医師からトップラインデータが発表されており、「治癒までの期間」がプラセボ群に対して、本剤は大幅に短縮できることが確認された。また、「投与後 6 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」のほか、「同 12 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」及び「同 12 ヶ月時点の潰瘍再発率」においてもプラセボ群に対する本剤の有効性が確認された。これらの結果は、HGF 遺伝子治療用製品が慢性下肢虚血の早期ステージにおいて有効な治療法であることを示唆しており、治験担当医師も今回の結果を受けて、「HGF 遺伝子治療用製品が既存治療法の有望な代替手段となる可能性がある」と結論付けている。

なお、治験結果の詳細な内容については、学術誌に論文として掲載する準備を進めており、同社も掲載と併せて同内容を発表する予定にしている。論文掲載前に詳細な内容を公表すると当該学術誌の投稿規程に抵触し、掲載されなくなるためだ。現状、2025 年 8 月ごろの掲載に向けて発行元と調整を進めており、発表されれば販売ライセンス契約の交渉も前進するものと思われる。日本の臨床試験結果よりも良好な結果が得られた理由として、被験者の症状（軽度から中等度を対象）や投与回数（日本は 2～3 回、米国は 4 回）の違いに加えて、経過観察期間中の患者の管理体制の違いが影響したのではないかと同社では推察している。米国ではブーツを履くことで患部を保護していたほか、週 1 度の診察を受けるなどフォローアップ体制も万全だった。

米国における今後の開発方針は FDA との協議のうえ決定するが、後期第 2 相臨床試験の結果が想定を上回る好結果であったこと、それにより 2024 年 9 月に FDA よりブレイクスルーセラピーに指定されたことなどから、第 3 相臨床試験を行わずに、製造販売承認申請を行う可能性が高まっている。現在、承認申請に向けて重要となる HGF 遺伝子治療用製品の安定供給体制の確保について製造委託先と交渉を進めている段階にあり、並行して販売ライセンス契約の締結に向けたコンタクトも複数の候補企業と開始している。製造及び販売体制を構築したうえで承認申請を行うことになるため、順調に進めば 2026 年前半の承認申請を行い、同年末ころか 2027 年前半にも承認を取得する可能性があると思われ、弊社では見ている。

なお、日本における開発方針については、国内の第 3 相臨床試験結果と米国における後期第 2 相臨床試験の結果を中心に新たな申請データパッケージを構築し、改めて製造販売承認の申請に向けた準備を進めるが、まずは米国での開発を最優先に取り組み方針だ。また、大手製薬企業との販売契約が締結されれば欧州市場にも展開していくことが予想される。

HGF 遺伝子治療用製品の市場規模については、米国だけで少なくとも 1 千億円を超える規模になると弊社では試算している。米国での対象患者数は同社の直近の調べで約 50 万人と見られる（日本では 5 千人～2 万人）。このうち実際の患者数は数万人規模と見られ、これに国内の薬価（約 61 万円 / 1 瓶（4mg））× 4 回を掛け合わせた。ただし、血管再建術による治療コストと同程度になると仮定すれば、さらに 4 倍以上の規模になるとの見方もあるようだ。米国で上市されれば日本や欧州にも展開し、世界規模ではさらに大きなポテンシャルを持つことになるだけに、今後の動向が注目される。

慢性椎間板性腰痛症対象の第2相臨床試験は 2025年内の被験者登録完了を目指す

2. NF- κ B デコイオリゴ DNA (AMG0103)

NF- κ B デコイオリゴ DNA は、人工核酸により遺伝子の働きを制御する「核酸医薬品」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子のタンパク質 (NF- κ B) に対する特異的な阻害剤である。NF- κ B が炎症関連遺伝子の特定の DNA 配列領域に結合し、スイッチが入ることで痛みなどの炎症の原因であるタンパク質が生成されるが、NF- κ B デコイオリゴ DNA を体内に入れることで、炎症を引き起こすゲノムと NF- κ B が結合しにくくなり、炎症の原因であるタンパク質の生成を抑制する。

2023年3月に塩野義製薬と国内第2相臨床試験への協力に関する契約を締結（開発費の一部を負担）し、同年10月から第2相臨床試験を開始した。予定症例数を92例※とし、最初の2例で最大投与量20mgの安全性試験を実施、安全性及び忍容性が確認されたことを受け、10mg、20mg、プラセボの3群（各30例、単回投与）に分類した比較試験を実施している。観察期間は12ヶ月で、有効性については「痛み」の指標であるNRSスコアの変化で評価する。現在、20mg投与群の被験者登録が進んでおり、予定よりも若干ペースが遅れぎみとなっているが、2025年内の被験者登録完了に向けてリクルーティングを強化する方針である。順調に進めば2027年に臨床試験の結果が発表される見通しで、良好な結果が得られた場合にはライセンスアウトする意向だが、塩野義製薬との協議次第となる。

※ 対象者は18～75歳で3ヶ月以上持続する腰痛を有し、腰痛のNRSスコア（自己申告による痛みの指標）が臀部痛や下肢痛のNRSスコアよりも大きく、腰痛に対する保存的治療で効果が不十分な患者とする。スクリーニング時点の腰痛のNRSスコアは4～9の患者（中等度から強い痛み）で、かつ、投与実施日当日及び前日のNRSスコアが4～9の患者。複数個所に痛みを持つ患者は除外。

国内の臨床試験に先駆けて米国で実施した後期第1相臨床試験（プラセボ対照無作為化二重盲検試験、25症例、観察期間12ヶ月）の結果が、脊椎疾患専門の学術誌「The Spine Journal※」に掲載された。安全性及び忍容性に問題がなかったほか、有効性においても投与量3群（0.3mg、3.0mg、10.0mg）のうち最大投与量群において投与後早期に腰痛が大幅軽減し、1年後には投与前と比較して平均77%の痛みの軽減が認められたほか、同投与群に関しては治験期間をとおして鎮痛薬を追加投与された症例がなく、鎮痛効果が持続していることが示唆された。また、椎間板の高さについてもプラセボ群が減少したのに対して、10mg投与群では増加が認められ、椎間板の形態的な改善効果が示唆される結果が得られたとしている。日本の臨床試験では米国の最大投与量を上回る20mg群の試験も行っていることから、好結果を得られる可能性が高いと弊社では見ている。

※ 「The Spine Journal」は、北米脊椎学会が発行する脊椎外科に関する研究論文やレビュー、症例報告などを掲載する脊椎疾患分野を代表する国際的な学術誌で各国から寄せられた質の高い論文を隔週で提供している。

国内では慢性椎間板性腰痛症の患者に対して、内服・外用薬治療など対症療法が主に行われている。AMG0103は単回投与で1年間の効果持続が見込まれるため、患者のQOL向上にも貢献する。開発に成功すれば、慢性椎間板性腰痛症に使用される世界初の核酸医薬品となる可能性があり、2027年に発表される臨床試験の結果が目される。

「AV-001」は2025年内に 前期第2相臨床試験の速報結果判明の見通し

3. ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト)

カナダの Vasomune との共同開発品である ARDS 治療薬「AV-001」(Tie2 受容体アゴニスト)※は、2018 年より全世界を対象に急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患の治療薬として共同開発を進めてきたが、中等度から重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者向けの治療薬としても効果があると見て、2022 年 1 月より米国で前期第 2 相臨床試験を実施している。ただ、新型コロナウイルス感染症の変異株では重篤な肺炎を発症する感染者が急減したことから、現在は対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む ARDS に拡大し (FDA 承認済み)、目標症例数も当初予定の約 120 例から約 60 例に縮小したうえで臨床試験を進めている。60 名を投与量で 3 群に分け、「AV-001」と標準治療薬またはプラセボと標準治療薬のいずれかを投与し、安全性及び忍容性と有効性を評価する。

※ 同社は 2018 年 7 月に Vasomune と、急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした「AV-001」の全世界を対象とした共同開発契約を締結した。開発費用と将来の収益を折半し、また、同社が Vasomune に対して契約一時金及び開発の進捗に応じたマイルストーンを支払う契約となっている。ARDS の患者数は米国だけで 26 万人いる。

2025 年 7 月時点で最終コホートの登録が進行中であり、順調に進めば秋ころに被験者登録を完了し、年内にトップラインデータが判明する見通しだ。良好な結果が得られればライセンスアウトする意向だが、後期第 2 相臨床試験でも引き続き開発助成金を得られる可能性があるため、独自で臨床試験を進めることも選択肢の 1 つとして考えている。自社で開発を進めた方が上市后に得られる利益も大きくなるためだ。なお、「AV-001」は 2024 年 5 月に米国 FDA から Fast Track※に指定されており、臨床試験に関する協議や審査などの手続きが迅速化される。

※ 重篤な疾患に対する新たな治療法やアンメット・メディカル・ニーズを満たす可能性のある薬剤などの開発を促進し、迅速に審査することを目的に制定された制度。

■ EmendoBio Inc. の開発状況

OMNI プラットフォームはゲノム編集技術のなかでも安全性の高さに強み

1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴

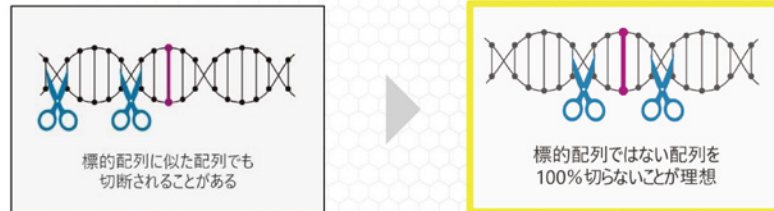
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、狙った遺伝子を改変する技術を指す。2012年に従来より短時間で簡単に標的とする DNA 配列を切断できる CRISPR/Cas9（クリスパーキャスナイン）と呼ばれる革新的な技術が登場したことで、製薬業界においてもゲノム編集技術を用いて新薬の開発を行う動きが活発化した。米国 Vertex Pharmaceuticals Inc.<VRTX>とスイスの CRISPR Therapeutics<CRSP>が同技術を用いて共同開発した遺伝性血液疾患「鎌状赤血球貧血症※」を適応症とした治療法が、2023年11月に英国、同年12月に米国で初めて承認された。患者から採取した造血幹細胞をゲノム編集技術で遺伝子改変し、それを注射投与で体内に戻すことで治療効果を得る治療法である。

※ 鎌状赤血球貧血症とは、赤血球に含まれるヘモグロビン（酸素の運搬に使われるタンパク質）が遺伝子異常によって変形することで赤血球が鎌状となって壊れやすくなり貧血の症状を起こす疾患。症状が悪化すると壊れた鎌状赤血球によって毛細血管が遮断され激痛が生じるほか、長期にわたる場合、腎不全や心不全を惹き起こすケースもある。米国内の患者数は約10万人。従来は、白血球の型である「HLA型」が一致するドナーから造血幹細胞の提供を受ける以外に治療の選択肢がなかった。今回承認されたのは、血管閉塞性危機が定期的に起きる12歳以上の患者を対象としている。

CRISPR/Cas9は初承認を得たことで一定の安全性が確認されたが、依然としてオフターゲット効果の懸念は残っている。これに対して、Emendoが独自開発したOMNIプラットフォームは、より高精度かつ安全性の高いヌクレアーゼを探索・最適化することで、オフターゲット効果を回避する次世代のゲノム編集技術である。自社開発したヌクレアーゼのうち250超については特許を申請している。ゲノム編集技術による医薬品の開発を進める場合には、効率性だけでなく安全性も強く求められるため、OMNIプラットフォームは強みになると弊社では評価する。

EmendoBio Inc. の開発状況

オフターゲット効果の回避を目指して



オフターゲット効果を回避することが重要

オフターゲット効果低減のために、

- ゲノム内に標的配列に類似した配列がないか検索
- 類似配列が存在する標的は避け、別の標的配列を探す

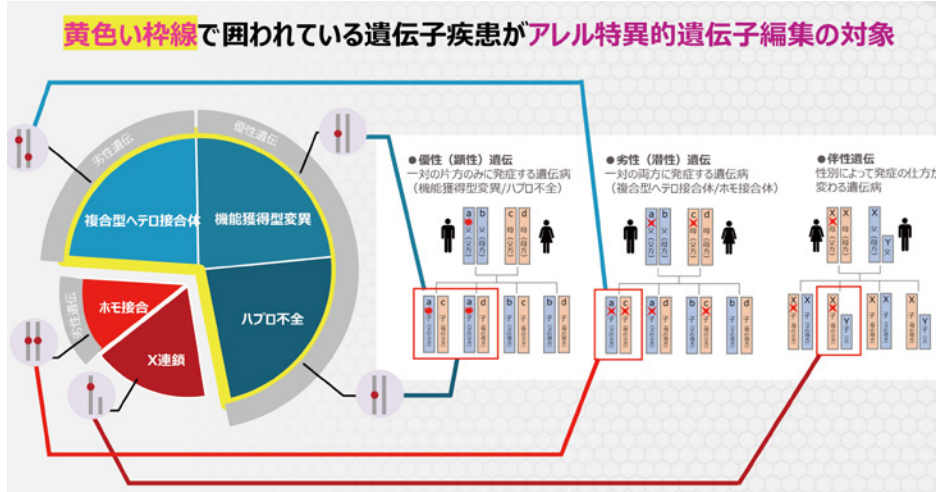
これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう
 “オフターゲット効果”が懸念されていましたが、
 Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果のない、
 安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

出所：決算説明資料より掲載

また、もう一つの特徴としてアレル特異的遺伝子編集が可能な点が挙げられる。これは、対をなすアレル（対立遺伝子）のうち、異常のある片方のみをターゲットにして編集を行い、正常な遺伝子を傷つけずに治療する技術である。ヒトは父型と母型の2つのアレルを一对で持っており、片方のアレルに異常があることで発症する遺伝性疾患は「顕性遺伝（機能獲得型変異 / ハプロ不全）」、両方のアレルに異常があることで発症する疾患は「潜性遺伝（複合型ヘテロ接合体 / ホモ接合体）」、または「伴性遺伝（性別によって発症の仕方が異なる疾患）」と呼ぶ。アレル特異的遺伝子編集の対象となるのは、これらのうちの一部であり、遺伝性疾患の過半を占めるとされている。これは OMNI プラットフォームを活用したゲノム編集による治療法の開発領域が非常に広いことを意味する。Emendo の調べによれば、遺伝性疾患の治療薬の市場規模は全体で約 2 兆円、このうち約 1.1 兆円が OMNI プラットフォームの対象領域になり得ると見ており、潜在的な成長ポテンシャルは大きい。ゲノム編集技術を用いた開発が活発化するなかで、OMNI プラットフォームへの注目も一段と高まることが期待される。

EmendoBio Inc. の開発状況

見込まれる適応症



出所：決算説明資料より掲載

OMNI 技術はライセンスビジネスに軸足

2. 事業戦略

Emendo はピーク時に 100 人超まで増員したイスラエルの研究所の人員を 2024 年にスリム化し、現在はゲノム編集技術に関する研究者と IT エンジニアで 20 数名程度の体制となっている。事業戦略としては財務状況を踏まえ、これまで開発してきた 250 を超える OMNI ヌクレアーゼや OMNI プラットフォームのライセンス活動に集中している。

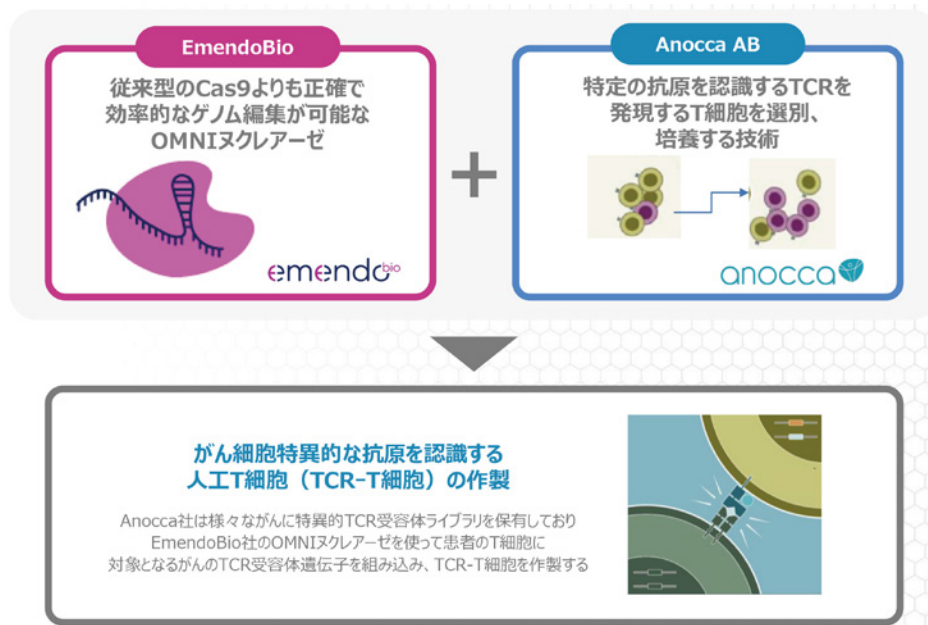
ライセンス契約に関しては、2024 年 3 月にがん免疫療法の一つである遺伝子改変 T 細胞療法※1 のなかでも固形がんにも効果があるとされる TCR-T 細胞療法の開発で業界をリードするスウェーデンの Anocca AB (以下、Anocca) ※2 と、OMNI-A4 ヌクレアーゼの使用権についての非独占的ライセンス契約を締結した。Anocca は OMNI-A4 ヌクレアーゼを用いて、難治性固形がんにおける KRAS タンパク質の変異を標的とした開発を進めている。2025 年より EU で変異 KRAS 陽性進行性すい臓がんを対象とした第 1/2 相臨床試験を複数の開発候補品を用いて実施する予定となっており、そのうちの 1 つに OMNI-A4 ヌクレアーゼを用いた開発品が加わる可能性がある。Anocca では、ゲノム編集技術として OMNI プラットフォームと CRISPR/Cas9 の両方の技術を試した結果、OMNI プラットフォームによる安全性を高く評価しており契約に至っている。この契約締結によって Emendo は契約一時金 (50 万米ドル、2024 年に受領済み) と開発マイルストーンを合わせて総額で最大約 100 百万米ドルを受領する可能性があり、製品が販売された場合にはロイヤリティも受領する。

※1 遺伝子改変 T 細胞療法とは、患者自身から取り出した T 細胞内にがん抗原特異的 T 細胞受容体 (TCR) やキメラ抗原受容体 (CAR) を遺伝子改変操作によって発現させ、同細胞を増殖させて体内に戻すことでがん細胞を攻撃する治療法。

※2 2014 年に設立されたバイオベンチャーで、科学者、エンジニア、ソフトウェア開発者を中心に従業員数は 100 名を超える。特定の抗原を認識する TCR を発現する T 細胞を選別、培養する技術を保有しており、複数のがん標的に対する TCR-T 細胞療法のライブラリーを持ち、40 を超える製品候補を抱えている。

EmendoBio Inc. の開発状況

TCR-T 細胞による治療



出所：決算説明資料より掲載

そのほかの企業との契約交渉についても現在、複数の企業で OMNI プラットフォームの評価を行っている状況にある。欧州の大手製薬企業では 2025 年内にも技術評価を終える見通しで、ライセンス契約に発展する可能性があり、今後の動向が注目される。また、2025 年 1 月には米国スタンフォード大学と、ゲノム編集技術を用いた新規がん治療法の開発に関する共同研究契約を締結した。遺伝性の難治性乳がん治療について OMNI ヌクレアーゼを用いた遺伝子治療の研究開発を進める (研究期間約 2 年、研究費約 130 万米ドルを予定)。スタンフォード大学が持つ細胞への薬剤送達技術と Emendo のゲノム編集技術を組み合わせることで、がん放射線療法やがん免疫療法の効率を大幅に高める治療法の開発が期待される。

Emendo の開発パイプライン

開発パイプライン	開発コード	開発ステージ	共同開発先
(血液疾患)			
ELANE 関連重症先天性好中球減少症	EMD-101	IND 申請前段階	ワシントン大学
(眼疾患)			
緑内障	EMD-201	前臨床試験	コロンビア大学
網膜色素変性症	EMD-202	前臨床試験	単独
網膜色素変性症	EMD-203	リードの最適化	単独
(肝疾患)			
家族性高コレステロール血症	EMD-301	前臨床試験	単独
高脂血症	EMD-302	前臨床試験	単独

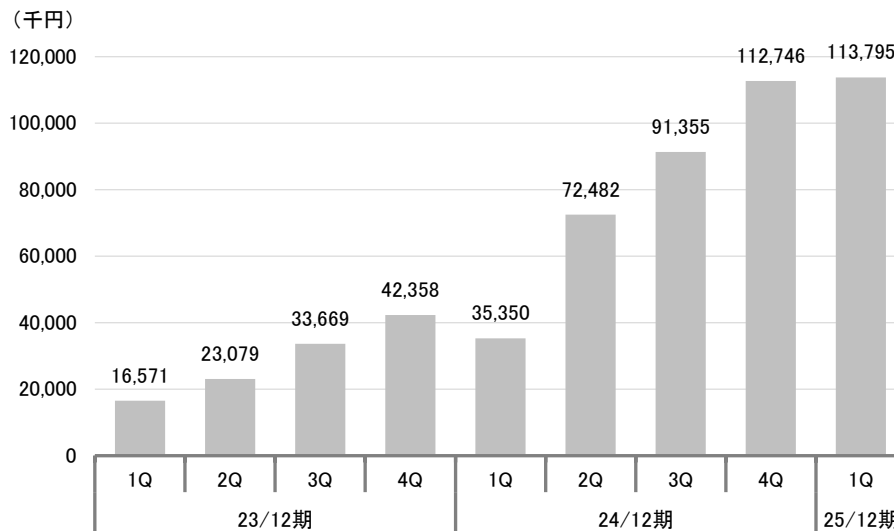
出所：Emendo ホームページよりフィスコ作成

■ ACRL の取り組み状況

拡大新生児スクリーニング検査の能力増強時期を 2026年以降とする可能性

2021年7月よりACRLで開始した希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査については、検査数が2022年12月期の約1万件から2倍ペースで拡大を続けてきた。CReARIDからの検査受託に加えて、2024年8月以降は群馬県や埼玉県、沖縄県などの地方自治体（またはその関連団体）からも受託を開始したことが要因で、四半期ベースの手数料収入推移を見ても右肩上がり成長している。2025年12月期第1四半期は113百万円と前年同期比では大幅増となったものの、前四半期比では検査処理能力が限界に近付いてきたこともあり、1百万円の増加にとどまった。期初段階では下期に移転増床と設備投資を行うことで検査能力を増強する予定であったが、資金面の問題から増強計画が2026年以降に先送りとなる可能性が出てきている。現在はHGF遺伝子治療製品の米国での上市が経営の最優先課題となっており、早期上市に向けて資金を優先的に振り向けており、ACRLの投資予算を2025年内に確保できるかどうか流動的なためだ。

検査手数料収入



出所：決算短信よりフィスコ作成

なお、2025年1月からは新たに長野県（長野県立子ども病院）からスクリーニング検査の受託を開始しており、ほかの自治体からも引き合いは来ているが、能力面から新規受託は様子見の状況となっている。なお、期初計画では下期に能力増強を行うことで、検査件数で前期比2倍増の約10万件を見込んでいたが、設備増強が先送りとなれば、売上計画は下振れすることになる。

ACRLの取り組み状況

同社は検査領域拡大の取り組みとして、2024年7月より希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定診断）を開始したほか、治療効果のモニタリングを行うためのバイオマーカー検査を行う体制も整備し、希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供できる体制を構築した。従来、これらの検査をすべて行う検査所はなく、医療機関では異なる検査所に依頼する必要があり手間が掛かっていたため、同社の検査所を活用することで利便性も向上する。同社にとっても、これら希少遺伝性疾患に関する検査を多く行うことで、新たな治療薬候補品を見出す機会が増えるものと考えており、今後も同事業については継続的に取り組む方針だ。

希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供



出所：決算説明資料より掲載

業績動向

2025年12月期第1四半期の営業損失が縮小。 Emendo 関連で費用削減

1. 2025年12月期第1四半期の業績概要

2025年12月期第1四半期の事業収益は169百万円（前年同期比55百万円増）、営業損失は1,255百万円（同1,221百万円減）、経常損失は1,237百万円（同289百万円減）、親会社株主に帰属する四半期純損失は1,247百万円（同576百万円減）となった。

業績動向

2025年12月期第1四半期連結業績

(単位：百万円)

	24/12 期 1Q	25/12 期 1Q		主な変動要因
	実績	実績	前年同期比	
事業収益	113	169	49.0%	55 ゾキンヴィ 55 百万円 (+55 百万円)、 ACRL 手数料収入 113 百万円 (+78 百万円)
売上原価	41	113	169.4%	71 ゾキンヴィの仕入原価 36 百万円、 ACRL 原価 76 百万円 (+37 百万円)
研究開発費	971	789	-18.7%	-181 主に Emendo の人件費等が減少 (-118 百万円)
販管費	1,576	521	-66.9%	-1,055 のれん償却額の減少 (-813 百万円)、 Emendo の人件費等の減少 (-143 百万円)
営業利益	-2,476	-1,255	-	1,221
経常利益	-1,527	-1,237	-	289 為替差益の減少 (-897 百万円)、 補助金収入の減少 (-27 百万円)
特別損益	-243	-	-	243
親会社株主に帰属する 四半期純利益	-1,824	-1,247	-	576

出所：決算短信よりフィスコ作成

事業収益は、前年同期に Anocca から受領した契約一時金収入等による研究開発事業収益 74 百万円がなくなったものの、希少遺伝性疾患に関するオプションスクリーニング検査の手数料収入が前年同期比 78 百万円増加の 113 百万円と拡大したことに加え、HGPS 及び PDPL※治療剤として 2024 年 5 月より販売を開始した「ゾキンヴィ」で 55 百万円の売上を計上したことが増収要因となった。

※ 乳児早老症とも言われる HGPS (ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群) は LMNA 遺伝子の突然変異により発症し、深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、骨格形成不全、動脈硬化の促進などにより、平均寿命は 14.5 歳と報告されている致死性の高い疾患である。また、PDPL (プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー) も LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異により、同様の症状が生じ老化を促進する。「ゾキンヴィ」は、HGPS 患者の死亡率を 72% 減少させ平均生存期間を 4 年程度延長させるという臨床データがある。HGPS 及び PDPL の世界における患者数は 600 人程度で、HGPS は日本でも難病指定され、患者数は数名程度と報告されている。患者 1 人当たりの年間売上高は薬価ベースで 1 億円強である。

売上原価は前年同期比 71 百万円増加の 113 百万円となった。ACRL の売上原価が検査数の増加に伴い 37 百万円増加したほか、「ゾキンヴィ」の商品仕入原価 36 百万円を計上したことが増加要因となった。「ゾキンヴィ」の仕入れについては円建て決済のため、為替変動の影響を受けない。

研究開発費は前年同期比 181 百万円減少の 789 百万円となった。Emendo の事業構造改革に伴う人員の減少により人件費関連が 118 百万円減少したことが主因だ。販管費は同 1,055 百万円減少の 521 百万円となった。前期末に Emendo に関わるのれんを一括で減損処理したことに伴い、のれん償却額がなくなり 813 百万円の減少要因となったほか、Emendo の人員減少に伴い人件費関連が 143 百万円減少した。また、Emendo における弁護士やコンサルタント等への報酬減少により支払手数料も 90 百万円減少した。

営業外収支は前年同期比 931 百万円悪化した。従来は Emendo への貸付金の評価替えを行っていたが、前期末に当該貸付金を貸倒引当金として計上したことにより、貸付金に関わる評価替えの影響がなくなったことに伴い為替差益が 897 百万円減少した。また、前年同期において計上した Vasomune の開発プロジェクトに関わる補助金収入 27 百万円がなくなったことも減少要因となった。

2025年12月期の事業収益は下振れる可能性。 営業損失は大幅縮小の見通し

2. 2025年12月期の業績見通し

2025年12月期の業績は事業収益で1,350百万円（前期比706百万円増）、営業損失で5,800百万円（同3,309百万円減）、経常損失で5,820百万円（同1,717百万円減）、親会社株主に帰属する当期純損失で5,850百万円（同22,278百万円減）と期初計画を据え置いた。

2025年12月期連結業績見通し

（単位：百万円）

	24/12 期 実績	25/12 期	
		会社計画	前期比増減額
事業収益	643	1,350	706
営業利益	-9,109	-5,800	3,309
経常利益	-7,537	-5,820	1,717
親会社株主に帰属する当期純利益	-28,128	-5,850	22,278
為替レート（円 / 米ドル）	151	150	

出所：決算短信よりフィスコ作成

事業収益は、ACRLにおける手数料収入や「ゾキンヴィ」の売上をそれぞれ約2倍増で見込んでいる。「ゾキンヴィ」についてはおおむね計画どおりに進捗しているが、検査手数料収入については下期に計画していた能力増強投資を資金余力の面から見直すことを検討しているようで、計画を下回る可能性がある。HGF 遺伝子治療用製品の上市を経営の最優先課題として取り組んでいるため、資金面で余裕が出てくる状況となれば、増強投資を実行するものと思われる。

営業損失については Emendo に関わるのれん償却額（前期 3,322 百万円）がなくなるほか、人件費や支払手数料の減少が見込まれることから、計画どおり縮小する見通しだ。また、前期に計上した減損損失 20,048 百万円がなくなるため、親会社株主に帰属する当期純損失も大幅縮小が見込まれる。なお、研究開発費については HGF 遺伝子治療用製品の販売承認申請に向けた準備費用などを見込んでいるため、前期比で若干増加する計画となっている。

2025年12月期の事業活動資金は 新株予約権の行使により調達する方針

3. 財務状況について

2025年12月期第1四半期末の財務状況は、資産合計が前期末比1,011百万円増加の5,680百万円となった。流動資産では、第三者割当による第45回新株予約権の行使が進んだことにより現金及び預金が968百万円増加したほか、HGF 遺伝子治療用製品の治験に関わる原材料の製造及び検査事業に関わる試薬等の購入により、原材料及び貯蔵品が107百万円増加した。固定資産は、投資有価証券が21百万円、繰延税金資産が23百万円それぞれ減少した。

負債合計は前期末比49百万円減少の2,462百万円となった。買掛金が33百万円、未払金が104百万円それぞれ増加した一方で、未払法人税等が108百万円、リース債務が52百万円減少した。純資産合計は同1,061百万円増加の3,217百万円となった。第45回新株予約権の行使により、資本金が1,165百万円、資本剰余金が1,165百万円それぞれ増加した一方で、親会社株主に帰属する四半期純損失の計上により利益剰余金が1,247百万円減少した。

同社の収益は開発ステージが続いていることもあり、当面は損失が続く可能性が高いことから、事業活動資金については新株予約権の行使により調達する方針だ。2025年4月から6月までの3ヶ月間において新たな行使により14億円強を調達しており、第45回新株予約権の未行使分は6月末で282,676個(株数で2,826万株)となっている。行使価額55円で残りすべてを行使したと仮定すればさらに約15億円が調達できる計算となり、2025年12月期の資金繰りについては問題ないと思われる。

2026年12月期以降については、HGF 遺伝子治療用製品の販売パートナー契約の締結時期や契約額の規模によって変わってくるが、それまでは引き続き第三者割当による新株予約権を発行し、株式市場から資金調達を行う可能性が高い。HGF 遺伝子治療用製品の米国での潜在市場規模が同社の想定している1千億円以上で評価されれば、契約一時金だけで100億円以上のディールとなる可能性は十分にあり、資金面の不安は一気に解消されることになる。このため、今後のライセンス交渉や、その前段階として学術誌への発表を目指している臨床試験結果に関する論文の内容が注目される。

業績動向

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	22/12 期	23/12 期	24/12 期	25/12 期 1Q	増減額
流動資産	12,896	5,921	3,542	4,599	1,057
(現金及び預金)	11,035	4,160	1,707	2,676	968
固定資産	25,924	22,971	1,125	1,080	-45
(のれん)	23,254	21,746	-	-	-
資産合計	38,820	28,892	4,668	5,680	1,011
負債合計	8,395	2,789	2,512	2,462	-49
(前受金)	5,764	637	639	639	0
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	30,425	26,103	2,156	3,217	1,061
<経営指標>					
自己資本比率	78.1%	90.0%	44.0%	55.1%	11.1pp
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 今後の成長戦略

遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は企業理念として、「生命が長い時間をかけて獲得した遺伝子の力を借りて画期的な遺伝子医薬を開発・実用化し、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する」ことを掲げ、長期ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目指している。

黒字化の時期に関しては、開発パイプラインの進捗状況次第だ。特に、潜在市場規模の大きい米国で HGF 遺伝子治療用製品の販売パートナー契約が決まり、上市に成功した場合には黒字化の蓋然性が一気に高まるだけに、今後の動向が注目される。早ければ 2026 年前半に承認申請や販売パートナー契約など具体的な動きが出てくる可能性がある。また、慢性椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験の結果は、2027 年前半にも判明する見込みであり、その内容次第で塩野義製薬への導出の可能性も高まる。Vasomune との共同開発品「AV-001」は 2025 年内に第 2a 相臨床試験のトップラインデータが判明する見通しで、2026 年に導出契約を締結する可能性がある。

希少遺伝性疾患の検査事業については、受託先並びに検査領域の拡大によって 2025 年 12 月期以降も注力する方針であり、新たな開発パイプラインの探索にもつながる取り組みとして期待される。Emendo についてはゲノム編集技術のライセンスビジネスにより収益化を目指す。弊社では、これらの取り組みが順調に進めば 2020 年代後半には連結業績も黒字化する可能性があると考えている。

今後の成長戦略

同社は、グローバル化に向けた組織強化や人材育成、並びにプラットフォーム技術の深化と拡大に取り組みながら、1) HGF 遺伝子治療用製品の製品価値最大化、2) パイプラインの継続的拡大、3) 欧米を中心としたグローバル展開の推進、4) 検査事業も含めた希少遺伝性疾患への取り組み強化などによって、収益成長と企業価値向上を目指す方針だ。希少遺伝性疾患の検査事業を行うことで同疾患領域での新たな開発品候補を見出し、Emendo の OMNI プラットフォームを活用して治療薬を開発する好循環を作り出すことができれば、「遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して」という同社の長期ビジョンも実現の可能性が高まるだけに、今後の展開が注目される。

重要事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受け、企業から報酬を受け取って作成されています。本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかなを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp